

NT-rådet 21 september 2022

Deltagare

NT-rådet

Gerd Lärfars Region Stockholm
Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen
Anna Lindhé, Västra regionen
Maria Landgren, Södra regionen
Anders Bergström, Norra regionen
Maria Palmetun-Ekback, Region Mellansverige
Åsa Derolf, Region Stockholm-Gotland
Lars Sandman, Prioriteringscentrum
Henrik Lövborg, NAC
Jan Liliemark, SKR (punkt 4-5)
Lena Gustafsson, VGR
Therese Löfbom, SKR
Ricard Nergårdh, Region Uppsala
Kristina Aggefors, Region Stockholm
Gustaf Befrits, Region Stockholm
Micke Svensson, SKR
Sofie Alverlind, SKR

Frånvarande: Andreas Hager, Upstream Dream

Gäst: Bengt Lindberg, Skånes universitetssjukhus (punkt 2)

1. Inledning

Ingen deklarerade jäv för aktuella ärenden. Föregående protokoll godkändes.

2. Strensiq vid hypofosfatasi

Bengt Lindberg, Skånes universitetssjukhus, medverkade som klinisk expert. Jävsdeklaration har lämnats. NT-rådet frågade om det finns en patientgrupp för vilken det finns ett oundgängligt behov av Strensiq och Bengt Lindberg redogjorde för sin granskning av tillgänglig klinisk dokumentation baserat på TLV:s rapport och de publicerade studier som ligger till grund för denna.

NT-rådet konkluderade att det utifrån dessa studier är det mycket svårt att bedöma klinisk effekt för de svåraste formerna av hypofosfatasi och om det finns stöd för att läkemedelsbehandlingen är oundgänglig. Det vore önskvärt med mer data som kan demonstrera detta

ÅTGÄRD: Beslut om nästa steg gällande Strensiq bordläggs till nästa möte. NT-rådet granskar den regulatoriska dokumentationen till dess.

3. Beslut om samverkan

Mitapavat vid pyruvatkinasbrist: Ny typ av läkemedel, det första läkemedel som ska påverka sjukdomsförloppet; tillgänglig behandling är endast symptomatisk. Ges peroralt. CHMP yttrade sig positivt 16/9. Sannolikt krävs genkaraktärisering för att identifiera patienter som kan svara på behandling. Tre av sex svarande regioner önskar nationell samverkan. NT-rådet bedömde att läkemedlet bör hanteras genom förmånsansökan; vid behov ser NT-rådet över behovet av samverkan efter beslut från TLV.

BESLUT: Ingen nationell samverkan.

4. SMA-screening

Ricard Nergårdh rapporterade från Socialstyrelsens screeningråd där screening av SMA utreds. NT-rådet diskuterade eventuella konsekvenser för rekommendationen gällande Zolgensma.

ÅTGÄRD: NT-rådet inväntar SoS beslut, och har beredskap att vid behov justera detaljer i rekommendationen.

5. SMA-läkemedel till vuxna patienter

Gustaf Befrits presenterade en hälsoekonomisk skattning av behandling med Spinraza och Evrysdi för SMA 2 och 3, baserat på erbjudna rabatter för läkemedlen. NT-rådet menar att det är angeläget att utgå från svårighetsgrad och behandlingseffekt och inte ålder i sig, en formulering som har gett upphov till missförstånd gällande skäl till beslut.

Sammanfattningsvis finns det en vilja att fortsätta sträva efter att behandla de svårast sjuka över 18 år. Vid behov bör NT-rådet överväga om uppdaterad hälsoekonomisk värdering för Spinraza ska beställas, baserat på nya data.

ÅTGÄRD: Fortsatt diskussion på internatet om bedömning av betalningsviljan för Spinraza och Evrysdi för patienter över 18 år, baserat på svårighetsgrad, och om det föreligger behov av ytterligare hälsoekonomisk utredning.

Protokollförare

Sofie Alverlind, Kristina Aggefors

Justeras

Gerd Lärfars

Mårten Lindström